
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	6
1. Questionnaire – Partie A	7
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	7
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	7
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	8
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	9
1.3. Le médicament évalué	12
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	12
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	13
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	13
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	13
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	14
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	14
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	14
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	15
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	15
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	16
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	17
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	18
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	19
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	20
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	21
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	22

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



Toutes les associations ou groupes représentant les usagers du système de santé peuvent utiliser ce questionnaire.

Vous pouvez consulter les informations publiées destinées aux associations et de patients et d'usagers sur la page internet dédiée du site internet de la HAS.

Lors des premières fois, il peut être utile de recevoir des explications : il y a toujours un interlocuteur dédié pour vous répondre, vous orienter ou échanger avec vous par mail (contact.contribution@has-sante.fr) ou par téléphone (01 55 93 71 18). C'est le service Engagement des usagers qui vous répondra : il s'agit d'une équipe qui est à votre écoute.

Pour des informations détaillées sur les principes d'évaluation des médicaments par la Commission de la transparence, vous pouvez consulter les doctrines d'évaluation [en vue du remboursement](#) et [en vue d'une autorisation d'accès précoce](#). Cette lecture spécialisée n'est pas nécessaire pour remplir ce questionnaire.

NB : pour simplifier la lecture, le masculin est utilisé dans les phrases de ce questionnaire – ceci est simplement une convention de rédaction dans le présent document. [La HAS promeut l'inclusion et l'égalité sur tous les plans, y compris de genre et de sexe.](#)

Note importante

Les questions de ce formulaire ne sont pas contraignantes. Elles ont pour but de vous orienter si vous les trouvez pertinentes.

Seules les questions de la partie administrative tout au début de ce questionnaire sont obligatoires.

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

ASSOCIATION ADAMTS13 _____

Site internet :

En cours de création : adamts13.org _____

Adresse postale (le cas échéant) :

3 Rue Salvador Allende – 91120 Palaiseau _____

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) : _____

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

Association Maladies Rares, Filière de santé MARIH _____

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

ADZYNMA Apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa _____

Dénomination commune internationale (DCI) :

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce :

Remboursement _____

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des 'groupes', par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc. :

- Fatigue intellectuelle ou physique*
- Activités de la vie quotidienne*
- Mobilité/déplacement*
- Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- Vie professionnelle – Capacité de travail*
- Vie affective*
- Vie sexuelle*
- Vie sociale*
- Impacts psychologiques*
- Douleur*
- Aspects financiers*
- Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

- Fatigue intellectuelle ou physique : 4
- Impact cognitifs (concentration, mémoire...) : 3
- Activités de la vie quotidienne : 4
- Mobilité/déplacement : 4
- Chez l'enfant : impact sur la croissance : 3
- Chez l'enfant : impact développement psychomoteur : 4
- Scolarité : 5
- Activités sportives : 2/3 et ludiques : 3
- Vie familiale : 3
- Vie affective : 3

- Vie sociale : 3
- Impacts psychologiques : 4 voire 5 pour les adultes
- Douleur : 1
- Pert d'équilibre après les transfusions de plasma : 2
- Asthénie majeure en cas de crise : 5
- Déplacements à l'hôpital contraignants : 3 (de plus en plus contraignants sur la durée)
- Vie professionnelle : 4
- Séquelles : 3

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

x Non

☐ Oui, lesquels ?

1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des « groupes », par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc.

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*

¹ Parfois appelés PROMs. Les 'Patient reported outcomes measures' sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

- Vie sexuelle
- Vie sociale
- Impacts psychologiques
- Aspects financiers
- Autres aspects

Quels sont les impacts de la maladie sur les proches ou les aidants ?

Stress présent en permanence vis-à-vis d'une potentielle rechute

- Fatigue intellectuelle ou physique : 4
- Activités de la vie quotidienne/organisation familiale : 3 (La maladie impose de prendre beaucoup de contraintes en considération au quotidien)
- Mobilité/déplacement 4 (déplacements pour les soins nombreux + poser des jours de congés pour les parents ou aménager son temps de travail pour les soins de l'enfant + difficile d'organiser ou de se projeter dans des vacances à l'étranger voire même dans une autre ville)
- Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille 1
- Vie professionnelle 3 – Capacité de travail 3
- Vie affective 3 (affectée par l'angoisse de l'avenir et les humeurs changeantes du patient, maladie qui prend beaucoup de place dans la vie des proches)
- Vie sexuelle 1
- Vie sociale 3
- Impacts psychologiques 4
- Aspects financiers 3

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)



Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle. C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure »

(ASMR I).



Merci de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le produit évalué (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.).

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Avant le **ADZYNMA Apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa** les traitements étaient :

Transfusion de plasma frais congelé (PFC) régulières + pendant les crises (+ polaramine et cortisone)

PFC réalisées en milieu hospitalier

Fréquence des transfusions régulières variant entre 15 jours et 21 jours en fonction des patients,

Suivi psychologique pour certains patients.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Avant le **ADZYNMA Apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa** les traitements disponibles étaient :

- Seul produit disponible actuellement qui réduise le risque de complications et de rechutes,
- Protocole maîtrisé pour obtention du PFC au niveau des établissements de sang en France sur tout le territoire
- Disponibilité en quelques heures par ESF sur large partie du territoire en cas d'urgence
- Moins d'hospitalisations qu'avant les PFC pour les patients qui n'en n'ont pas toujours bénéficié (errance diagnostic).

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Avant le traitement **ADZYNMA Apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa** les inconvénients étaient :

- Beaucoup de contraintes d'administration du produit
- Hospitalisation dans un CHU qui peut être éloigné du domicile,
- 1 journée monopolisée entre le transport, la transfusion, la surveillance
- Cette journée de transfusion + transport est très fatigante pour le patient mais aussi pour l'accompagnant (pour les enfants)
- Perte financière conséquente : temps partiel pour soin à personne pour l'accompagnant
- Pour certains patients, pose d'un DVI en voie centrale pour assurer les perfusions de PFC pour garantir patrimoine veineux avec changement sous anesthésie générale tous les 3 ans
- Pour les autres, réseau veineux affaibli,
- Protocole de soin en stérile lourd pour personnel,
- Nécessite 2 poches, beaucoup de liquide et autres substances que celles nécessaires, avec risque contamination même si très contrôlé (risque 0 n'existe pas),
- Eviction scolaire très fréquente pour soin et récup avec impact sur scolarité pour les enfants atteints de PTT et assiduité professionnelle pour parents accompagnants
- Adaptation du temps de travail pour les adultes atteints de PTT,
- Certains patients n'ont pas la possibilité de partir à l'étranger compte-tenu du besoin régulier des PFC et le risque de rechute,
- Allergies possibles donc ajout d'antihistaminique (polaramine) _____
- Temps de l'injection longue _____
- Les effets secondaires (allergie, psychologique, physique), la difficulté d'injection du traitement, les temps de la prise du traitement (4h-5h)
- Grande fatigue post-traitement,

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne couvrent pas tous vos besoins ?

Avant le **ADZYNMA Apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa** les traitements ne couvraient pas tous les besoins :

Très contraignants et fatigants pour le patient et accompagnant _____

Réseau veineux qui s'abîme,

Temps de soin est long et occupe 1 journée + 1 journée de fatigue

Soin uniquement disponible à l'hôpital

Absences fréquentes au travail pour les adultes et à l'école pour les enfants

Malgré les PFC rapprochées, encore des rechutes car difficile de mettre en place des PFC encore lus rapprochées,

Difficultés à envisager une grossesse pour les femmes adultes,

Difficile d'accepter la pose et le port d'un portacath, qui en plus met en évidence la maladie aux yeux de tous.

1.3. Le médicament évalué



Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- *la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;*
- *la qualité de vie de ses proches ;*
- *l'usage de ce traitement ;*
- *le parcours de santé et de vie du patient ;*
- *autres : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ? Merci de justifier votre réponse.

Oui, la population concernée est bien indiquée _____



Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement remplir la rubrique « Si vous avez une expérience... » ci-dessous (§ 1.3.2).

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, ne remplir que la rubrique « Si vous n'avez pas d'expérience... » (§ 1.3.3).

Vous pouvez laisser vide l'une ou l'autre de ces rubriques.

1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)

1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :

Quelles sont les principales améliorations constatées par rapport aux traitements actuels ?



Exemples d'amélioration (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

- Gain de temps considérable du temps passé à l'hôpital divisé par 3 (1h pour le médicament évalué contre 4 à 5h pour les PFC ; temps d'administration du médicament évalué : seulement 2 à 5 min.)
- Gain de temps pour le patient comme pour l'accompagnant d'enfant atteints de PTTc,
- Veines préservées car il n'y a plus de pose de cathéter, l'aiguille est beaucoup plus fine et permet une fréquence plus rapprochée des soins,
- Meilleur moral car traitement beaucoup moins lourd à supporter et pas de prémédication donc pas d'effets secondaires de cette prémédication,
- Absence d'effets secondaires, **pas de fatigue** et de sautes d'humeur, + de dynamisme,
- Possibilité d'une prise en charge à domicile qui évite les contraintes et la fatigue du transport vers l'hôpital.
- Compatible avec une vie professionnelle ou scolarité

1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Quels sont les principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

RAS

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?

- De ne plus passer une journée complète à l'hôpital en tant que parent d'enfant atteint du PTT et patients,
- De n'apporter que la protéine manquante, donc moins de risque d'allergies,
- D'avoir une vie d'enfant presque normale (car injection moins longue) ou vie d'adulte moins contraignante avec une vie professionnelle moins entrecoupée,
- Bientôt une prise en charge à domicile, voire même en auto-administration,
- Temps d'injection plus court,
- Facile à injecter,
- Même durée d'efficacité, voire plus efficace car la fréquence est moins rapprochée pour certains,
- Moins de fatigue post injection,
- Moins ou pas d'allergie ni de risque collatéral infectieux,
- Moins de temps au soin pour plus de temps en vie sociale, scolaire ou professionnelle avec moins d'absences scolaires ou professionnelles même pour les parents accompagnateurs.

1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

- Crainte sur disponibilité du traitement dans le temps,

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne sont pas appropriés ?

Quelles sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?



Cette question porte sur le caractère innovant de l'usage du produit pour lequel la demande d'autorisation d'accès précoce est demandée.

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment² sur deux points :

- l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité y compris sur la qualité de vie, de tolérance, de praticité ou de commodité d'emploi ou de parcours de soins ;*
- la couverture d'un besoin médical non ou insuffisamment couvert (ex. : usage adapté pour les enfants).*

2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé



Il est essentiel pendant l'accès précoce d'observer avec attention l'utilisation et les effets du médicament pour mieux le connaître et évaluer son efficacité et ses effets indésirables en « vie réelle ».

Les données relatives à l'utilisation et aux effets du médicament sont collectées auprès des patients de deux façons :

- par le médecin durant les consultations : le médecin prescripteur de ce médicament posera des questions aux patients sur l'état dans lequel ils se sentent avec le traitement ;*
- par les patients eux-mêmes entre les consultations : les patients (et/ou leurs proches dans certains cas) recevront un ou plusieurs questionnaires en ligne ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.*

La façon dont cette surveillance et cette collecte de données sont organisées est décrite en détail dans un document spécifique nommé « Protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données », ou : PUT-RD.

² Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

Nous vous invitons à nous donner votre avis sur les données ou informations qu'il serait pertinent de recueillir du point de vue des patients et/ou des aidants.



Dans cette rubrique, nous vous demandons d'exprimer les types de données ainsi que la façon de les recueillir qui sont les plus pertinentes de votre point de vue. Il n'est pas utile de mentionner les données purement médicales telles que les paramètres biologiques.

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement évalué ?

Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, recueil avec l'aide d'un patient expert, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.



Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

☐ Oui

☐ Non

Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

³ Également appelées « variables d'intérêt »

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non sauf si nécessaire

Pour quelles raisons ?

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...
- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

Les plus grandes difficultés vécues avec la maladie avec l'ancien traitement sont le temps et la fréquence des soins qui impactent beaucoup la qualité de vie, la vie sociale, familiale, professionnelle/scolaire.

Les thérapeutiques proposées avant l'ADZYNMA Apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa sont insuffisantes car elles prennent trop de temps sur la vie des patients et ont un impact important sur leur état de fatigue et leur qualité de vie. Tout cela empêche les malades d'avoir une vie un plus « normale » (vie perso/pro/scolaire et sociale).

L'ADZYNMA Apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa permet de réduire ce qui impacte le plus les patients : le temps passé à l'hôpital, la lourdeur des soins, et les effets secondaires.

Il fait désormais partie de la bonne prise en charge du patient atteint de PTT congénital et c'est pour cela qu'il doit pouvoir être pris en charge par l'assurance maladie.

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



Si vous souhaitez compléter les informations que vous jugez utiles pour la Commission de la transparence, merci d'utiliser cette partie de façon libre.

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire



Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, appels téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

Pour répondre au questionnaire d'accès précoce, l'association a sollicité ses adhérents malades et proches atteints de PTT congénital.

Elle s'est reposée sur l'expérience de 3 enfants atteints de PTT congénital décrites par leurs parents, 2 adultes atteints de PTT congénital chronique et 1 adulte atteinte de PTT congénital déclenchant des crises uniquement dans le cadre de ses grossesses.

Pour ce dossier de demande de remboursement, nous avons repris l'étude faite auprès des patients et compléter par leurs retours depuis l'accès précoce. _____

Selon quelles méthodes avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement ?

Nous avons sollicité l'expérience d'1 des 3 enfants adhérents de l'association atteint de PTT congénital et les 2 adultes adhérentes atteintes de PTT congénital chronique qui bénéficient du traitement évalué et qui ont tous les 3 bénéficié précédemment du traitement par PFC.

Nous sommes également en contact régulier avec les patients qui nous font très souvent des retours sur leur qualité de vie retrouvée. _____

Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?

J'ai rédigé cette contribution en m'appuyant sur les retours écrits de 3 parents d'enfants atteints de PTT adhérents de l'association et

3 adultes atteintes de PTT adhérentes de l'association _____

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?

Non _____

Pouvez-vous nous donner une estimation du temps qui a été nécessaire pour rédiger cette contribution ?

1 H _____

Avez-vous rencontré des difficultés pour remplir ce questionnaire, et si oui, lesquelles ?

NON _____

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

